



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/78494/2026
EMA/H/C/005927

Joenja (lot. *leniolisibas*)

Paprasta kalba parengta Joenja apžvalga ir paaiškinimas, kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Joenja ir kam jis vartojamas?

Joenja – tai vaistas, skirtas suaugusiųjų ir ne jaunesnių kaip 12 metų paauglių, sveriančių 45 kg ar daugiau, aktyvinto fosfoinozido 3-kinazės delta sindromo (AFDS) gydymui.

AFDS yra paveldima liga, kuria sergant imuninės (natūralios organizmo apsaugos) sistemos veikimas yra sutrikęs, todėl pacientai dažniau serga bakterinėmis ir virusinėmis infekcijomis. Ši liga taip pat gali sukelti autoimuninius sutrikimus ir limfomą (baltųjų kraujo ląstelių limfocitų vėžį).

AFDS laikoma reta liga, todėl 2020 m. spalio 19 d. Joenja buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Joenja sudėtyje yra veikliosios medžiagos leniolisibo.

Kaip vartoti Joenja?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą privalo pradėti gydytojas, turintis pirminių imuninės sistemos sutrikimų (kai imuninė sistema veikia ne taip, kaip turėtų) gydymo patirties.

Gaminamos Joenja tabletės, kurias reikia išgerti du kartus per parą, maždaug kas 12 valandų. Gydymą reikia tęsti tol, kol jis naudingas pacientui arba kol nepasireiškia nepriimtinas šalutinis poveikis.

Daugiau informacijos apie Joenja vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Kaip veikia Joenja?

AFDS sergančių žmonių genai, kurie kontroliuoja baltymo, vadinamo fosfoinozotido 3-kinazės delta, gamybą, turi mutacijų (pakitimų). Šis baltymas yra labai svarbus limfocitų (B ir T ląstelių), kurie atlieka svarbų vaidmenį imuninės sistemos veikloje, vystymuisi ir funkcijoms. Dėl šių mutacijų baltymas tampa pernelyg aktyvus, sutrikdydamas normalų limfocitų vystymąsi ir funkcionavimą. Dėl to padidėja limfmazgiuose ir tokiuose organuose kaip, blužnis, kepenys ar plaučiai, besikaupiančių nesubrendusių B ląstelių kiekis (limfadenopatija), taip pat sumažėja naujų B ląstelių (naujai susiformavusių subrendusių B ląstelių, prisidedančių prie pirminės imuninės reakcijos) kiekis, o tai turi įtakos paciento organizmo gebėjimui kovoti su infekcijomis.

Joenja veiklioji medžiaga leniolisibas jungiasi prie fosfoinozotido 3-kinazės delta ir slopina jo aktyvumą, todėl B ir T ląstelės gali normaliai vystytis ir funkcionuoti.

Kokia Joenja nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant vieną pagrindinį tyrimą dalyvavo 31 AFDS sergantis ne jaunesnis kaip 12 metų pacientas. Šios ligos simptomams kontroliuoti kartu su standartiniu gydymu jam buvo skiriamas Joenja arba placebo (preparatas be veikliosios medžiagos). Tyrime buvo vertinamas limfadenopatijos lygio ir naujų B ląstelių dalies pokytis po 12 gydymo savaitių.

Joenja vartojusių žmonių limfadenopatija sumažėjo labiau nei vartojusiųjų placebo, o tai rodo limfoproliferacijos (kai limfocitų gamyba yra sutrikusi) sumažėjimą. Be to, Joenja vartojusių žmonių organizme naujų B ląstelių procentinė dalis padidėjo labiau nei vartojusiųjų placebo organizme; tai rodo, kad B ląstelių vystymasis galėjo normalizuotis.

Joenja atlikti tyrimai išsamiau aprašyti vaisto vertinimo protokole.

Koks yra Joenja šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

Išsamų visų Joenja šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Joenja šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra sumažėjęs neutrofilų (tam tikros rūšies baltųjų kraujo ląstelių) kiekis, galvos skausmas, vėmimas, padidėjęs svoris ir alopecija (plaukų slinkimas).

Kodėl Joenja buvo registruotas ES?

Įrodyta, kad Joenja veiksmingai mažina limfadenopatiją ir didina AFDS sergančių žmonių naujų B ląstelių skaičių; tai turėtų sumažinti infekcijos ir kitų su šia liga siejamų komplikacijų riziką. Nuspręsta, kad Joenja saugumo charakteristikos yra priimtinos ir jo sukeltą šalutinį poveikį paprastai galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Joenja nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Joenja registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Joenja. Bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Joenja. Ji turi pateikti registro duomenimis pagrįsto ilgalaikio Joenja saugumo ir veiksmingumo tyrimo rezultatus ir kasmet pateikti naujausią informaciją apie vaisto saugumą ir veiksmingumą. Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Joenja vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Joenja vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Joenja vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Joenja šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Joenja

Daugiau informacijos apie Joenja, įskaitant pakuotės lapelį ir vertinimo protokolą, rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/joenja.

Norėdami sužinoti, ar šis vaistas prieinamas jūsų šalyje, kreipkitės į savo [nacionalinę kompetentingą instituciją](#).